

**(12) DEMANDE INTERNATIONALE PUBLIÉE EN VERTU DU TRAITÉ DE COOPÉRATION  
EN MATIÈRE DE BREVETS (PCT)**

**(19) Organisation Mondiale de la Propriété  
Intellectuelle  
Bureau international**



**(43) Date de la publication internationale  
21 décembre 2000 (21.12.2000)**

**PCT**

**(10) Numéro de publication internationale  
WO 00/76451 A2**

- (51) Classification internationale des brevets<sup>7</sup>:** A61K Bois (FR). LEPRINCE, Christiane [FR/FR]; 44, allée de la Mare l'Oiseau, F-91190 Gif-sur-Yvette (FR).
- (21) Numéro de la demande internationale:** PCT/FR00/01612 **(74) Mandataires:** BRESE, Pierre etc.; Bresse-Majerowicz, 3, avenue de l'Opéra, F-75001 Paris (FR).
- (22) Date de dépôt international:** 9 juin 2000 (09.06.2000)
- (25) Langue de dépôt:** français
- (26) Langue de publication:** français
- (30) Données relatives à la priorité:**  
99/07442 11 juin 1999 (11.06.1999) FR
- (71) Déposant (pour tous les États désignés sauf US):** CENTRE NATIONAL DE LA RECHERCHE SCIENTIFIQUE - CNRS [FR/FR]; 3, rue Michel Ange, F-75794 Paris Cedex 16 (FR).
- (72) Inventeurs; et**  
**(75) Inventeurs/Déposants (pour US seulement):** ISRAEL, Maurice [FR/FR]; 2, rue Aristide Briand, F-91440 Bures-sur-Yvette (FR). DE LA PORTE, Sabine [FR/FR]; 86, rue Royale, F-78000 Versailles (FR). FOSSIER, Philippe [FR/FR]; 11, rue Victor Baron, F-95380 Louvres (FR). CHAUBOURT, Emmanuel [FR/FR]; 18, route de Montignac, F-16330 Vars (FR). BAUX, Gérard [FR/FR]; 7, avenue des Bois Clairs, F-91700 Sainte Geneviève des
- (81) États désignés (national):** AE, AG, AL, AM, AT, AU, AZ, BA, BB, BG, BR, BY, CA, CH, CN, CR, CU, CZ, DE, DK, DM, DZ, EE, ES, FI, GB, GD, GE, GH, GM, HR, HU, ID, IL, IN, IS, JP, KE, KG, KP, KR, KZ, LC, LK, LR, LS, LT, LU, LV, MA, MD, MG, MK, MN, MW, MX, MZ, NO, NZ, PL, PT, RO, RU, SD, SE, SG, SI, SK, SL, TJ, TM, TR, TT, TZ, UA, UG, US, UZ, VN, YU, ZA, ZW.
- (84) États désignés (régional):** brevet ARIPO (GH, GM, KE, LS, MW, MZ, SD, SL, SZ, TZ, UG, ZW), brevet eurasien (AM, AZ, BY, KG, KZ, MD, RU, TJ, TM), brevet européen (AT, BE, CH, CY, DE, DK, ES, FI, FR, GB, GR, IE, IT, LU, MC, NL, PT, SE), brevet OAPI (BF, BJ, CF, CG, CI, CM, GA, GN, GW, ML, MR, NE, SN, TD, TG).

**Publiée:**

— Sans rapport de recherche internationale, sera republiée dès réception de ce rapport.

En ce qui concerne les codes à deux lettres et autres abréviations, se référer aux "Notes explicatives relatives aux codes et abréviations" figurant au début de chaque numéro ordinaire de la Gazette du PCT.

---

**(54) Title:** PHARMACEUTICAL COMPOSITION COMPRISING NO OR AT LEAST A NO DONOR COMPOUND OR ANOTHER COMPOUND CAPABLE OF RELEASING OR INDUCING NO FORMATION IN CELLS

**(54) Titre:** COMPOSITION PHARMACEUTIQUE COMPRENANT DU NO OU AU MOINS UN COMPOSÉ DONNEUR DE NO OU ENCORE UN COMPOSÉ CAPABLE DE LIBÉRER OU D'INDUIRE LA FORMATION DE NO DANS LES CELLULES

**(57) Abstract:** The invention concerns the use of NO, a NO donor compound or a compound capable of releasing, stimulating or inducing NO formation in cells to prepare a medicine for treating or preventing a disease resulting from deficiency of an adult gene in a person for the re-expression of said homologous foetal gene. The invention particularly concerns the treatment of Duchenne or Becker muscular dystrophy, or thalassemia or sickle cell disease.

**(57) Abrégé:** La présente invention concerne l'utilisation de NO, d'un composé donneur de NO ou d'un composé capable de libérer, de favoriser ou d'induire la formation de NO dans les cellules pour la préparation d'un médicament destiné au traitement ou à la prévention d'une maladie résultant de la déficience d'un gène adulte chez un individu par la ré-expression dudit gène foetal homologue. La présente invention concerne tout particulièrement le traitement des dystrophies musculaires, comme la dystrophie musculaire de Duchenne ou de Becker, ou la thalassémie ou la drépanocytose.

**A2**  
**WO 00/76451**